



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 de junio de 2020
EMA/336104/2020
EMA/H/C/004832

Denegación de la autorización de comercialización de Turalio (pexidartinib)

La Agencia Europea de Medicamentos ha recomendado la denegación de la autorización de comercialización de Turalio, un medicamento destinado al tratamiento del tumor tenosinovial de células gigantes.

La Agencia emitió su dictamen el 25 de junio de 2020. La empresa que solicitó la autorización, Daiichi Sankyo Europe GmbH, puede pedir la revisión de este dictamen en los 15 días siguientes a su recepción.

¿Qué es Turalio y a qué uso estaba destinado?

Turalio se desarrolló como medicamento para tratar a pacientes adultos con tumor tenosinovial de células gigantes que puede causar dolor y reducir significativamente la funcionalidad física. Este medicamento iba a utilizarse cuando otros tratamientos, como la cirugía, ya no fueran posibles o no fueran adecuados. El tumor tenosinovial de células gigantes es una afección no cancerosa en la que el tejido que recubre las superficies internas de las articulaciones y los tendones, denominado revestimiento sinovial o membrana sinovial, se expande de forma anómala y forma excrecencias en la articulación o alrededor de esta.

Turalio contiene el principio activo pexidartinib e iba a presentarse en cápsulas por vía oral.

Turalio fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 19 de marzo de 2015 para el tratamiento del tumor tenosinovial de células gigantes, de tipo localizado y difuso. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457.

¿Cómo actúa Turalio?

El principio activo de Turalio, pexidartinib, funciona bloqueando un receptor (diana) denominado CSF1R al que se une una proteína llamada CSF-1. Los tumores tenosinoviales de células gigantes producen grandes cantidades de CSF-1 y, como consecuencia, se acumulan en las articulaciones los inmunocitos llamados macrófagos y se forman las excrecencias. Se esperaba que, al bloquear el



receptor CSF1R y reducir la actividad de la proteína CSF-1, el medicamento evitara el crecimiento del tumor y ayudara a reducir los síntomas de la enfermedad.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

La empresa presentó los resultados de un estudio principal en el que participaron 120 sujetos adultos con tumor tenosinovial de células gigantes avanzado que no podía tratarse por otros métodos. El estudio evaluaba los cambios en el tamaño del tumor después de que los pacientes hubieran recibido Turalio o un placebo (un tratamiento simulado) durante 25 semanas.

¿Cuáles fueron los motivos principales para denegar la autorización de comercialización?

A la Agencia le preocupaba que, aunque el estudio principal concluyó que los tumores se habían reducido en los pacientes tratados con Turalio, estos solo mostraron una ligera mejora de los síntomas como el dolor o la funcionalidad de la articulación. No quedaba claro cuánto duraban estos efectos. También existía una gran preocupación con respecto a los efectos impredecibles y potencialmente mortales de Turalio en el hígado.

Por consiguiente, la Agencia consideró que los beneficios de Turalio no eran mayores que sus riesgos y recomendó denegar la autorización de comercialización.

¿Qué consecuencias tiene esta denegación para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?

La empresa informó a la Agencia de que no hay consecuencias para los pacientes que participan en ensayos clínicos o programas de uso compasivo con Turalio.

Si participa usted en un ensayo clínico o programa de uso compasivo y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con su médico.